

AFM TÉLÉTHON  
INNOVER POUR GUÉRIR



29-30  
NOVEMBRE  
2024

# TÉLÉTHON 2024

## ILE DE LA RÉUNION

CONTACT PRESSE AFM-TÉLÉTHON : Emma Bretas Cabral  
[ebretascabral@afm-telethon.fr](mailto:ebretascabral@afm-telethon.fr) – 01 69 47 25 64

## ÉDITO

Avant le 1<sup>er</sup> Téléthon, autour des maladies rares, il n'y avait que des murs : ceux de l'indifférence, de l'ignorance, de l'exclusion et de l'oubli.

Des parents pionniers de l'AFM-Téléthon ont alors décidé d'abattre ces murs et de combattre ces maladies qui emportaient leurs enfants et décimaient leur famille, génération après génération. Déterminés et portés par le formidable élan collectif du Téléthon, ils ont impulsé **une recherche innovante et créé des laboratoires qui bâtissent une médecine nouvelle**. Des premiers traitements voient le jour : ils sauvent des vies autrefois condamnées et ouvrent la voie aux innovations thérapeutiques pour des maladies fréquentes comme le cancer, l'insuffisance cardiaque, la DMLA...



Grâce au soutien de millions de personnes, **nous avons remporté de premières grandes victoires. Mais, plus que jamais, nous avons besoin de tous pour en remporter de nouvelles contre l'injustice de la maladie**. Oui, nous voulons apporter des réponses concrètes aux parents qui nous demandent : *“Pour mon enfant, c'est quand le traitement ?”*. Nous voulons démultiplier nos forces, intensifier le combat et amplifier nos succès thérapeutiques. C'est la promesse du Téléthon et nous la tenons depuis 1987, date de sa première édition.

**Tous ensemble, nous sommes les bâtisseurs d'une médecine nouvelle au bénéfice du plus grand nombre.**

**Laurence Tiennot-Herment,  
Présidente de l'AFM-Téléthon**

# BATIR LES TRAITEMENTS,

# COMBATTRE LA MALADIE

**PAUL, FÉLICIE, TIM, SACHA, MARLEY ET MYLANE SONT LES AMBASSADEURS DU TÉLÉTHON 2024 !**

Pour certains, la recherche soutenue par le Téléthon a changé leur vie. Pour d'autres, elle est pleine de promesse. Mais pour beaucoup encore, la recherche doit s'intensifier pour bâtir de nouveaux traitements. Paul, Félicie, Tim, Sacha, Marley et Mylane incarnent l'histoire des milliers de familles engagées dans le combat contre la maladie.

**MARLEY ET MYLANE**

**1 AN**

« Nos jumelles sont nées au bon endroit et au bon moment. Nous voulons que toutes les familles partout en France bénéficient de la même chance que nous ! »

**Théo, papa des jumelles**

LA MALADIE DÉTRUIT MES MUSCLES. LA RECHERCHE EST EN TRAIN DE LA BATTRE.

**SACHA, 8 ANS**

« Les progrès qu'on voit actuellement, on ne les imaginait pas. Voir Sacha monter l'escalier en alternant jambe droite, jambe gauche, pour nous, c'était impensable »

**Hélène, maman de Sacha**

**TIM, 26 ANS**

« C'est une grande victoire au quotidien de pouvoir refaire des choses que je ne faisais plus » **Tim**

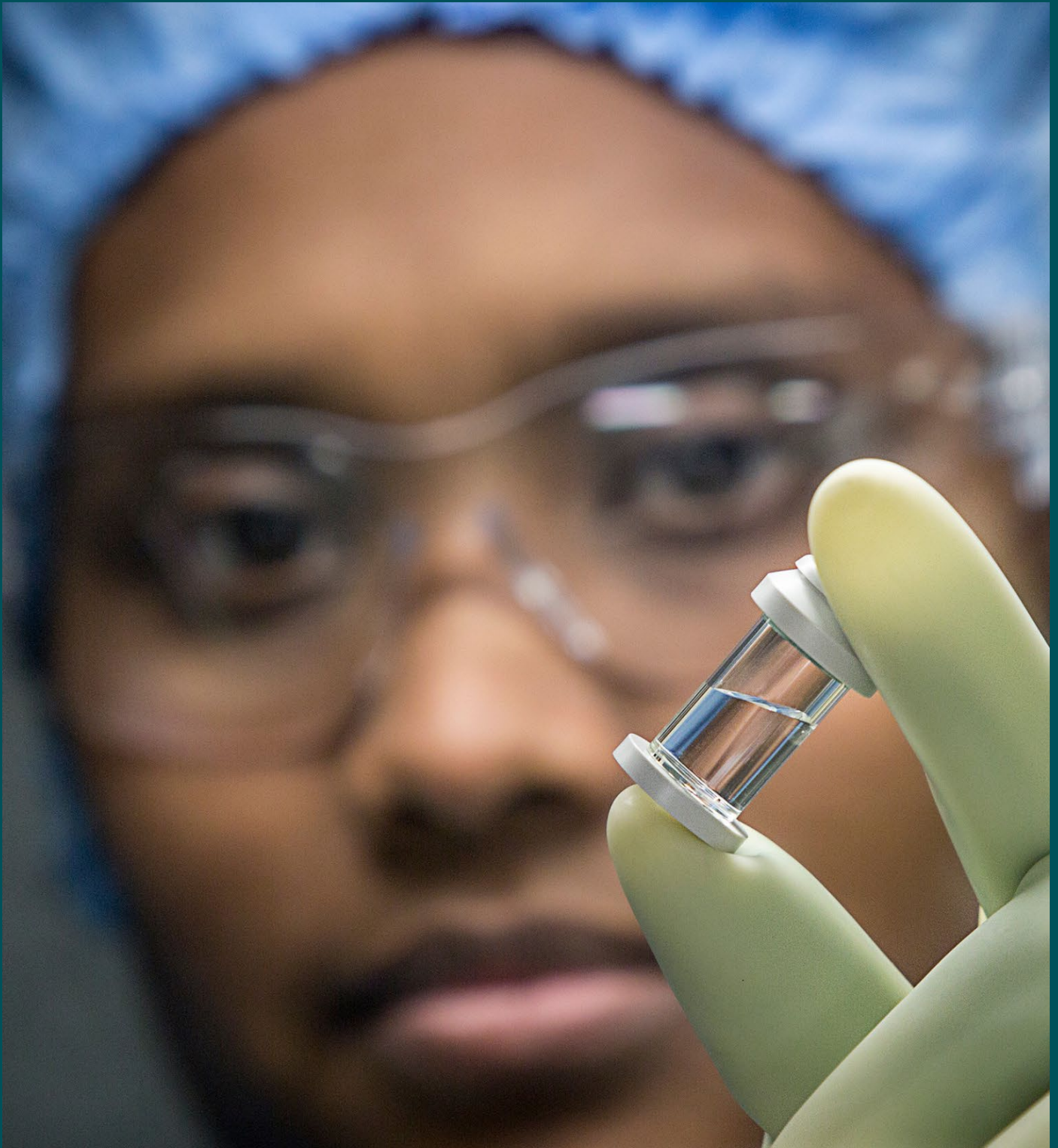
**FÉLICIE, 14 ANS**

« Ma peur, c'est que la recherche n'aille pas assez vite pour que je puisse recevoir un traitement. Je veux pouvoir continuer à marcher, même à courir comme mes copains » **Félicie**

**PAUL, 4 ANS**

« La peau de Paul est aussi fragile que les ailes d'un papillon » **Marie, maman de Paul**





**BATIR DES THÉRAPIES  
INNOVANTES POUR GUÉRIR**



# DES ÉQUIPES DE RECHERCHE SOUTENUES PAR L'AFM-TÉLÉTHON

Parce que les maladies neuromusculaires sont rares et, pour la plupart, d'origine génétique, l'AFM-Téléthon mène une stratégie d'intérêt général qui s'appuie sur l'innovation, qu'il s'agisse de recherche ou d'accompagnement des familles.

## ZOOM SUR LA RECHERCHE

La thérapie génique, qui consiste à injecter un gène-médicament dans un organisme avec un vecteur, un « moyen de transport » capable de franchir toutes les barrières biologiques au sein des organes et de la cellule jusqu'au noyau, présente aujourd'hui un réel potentiel thérapeutique pour les maladies du sang.

### DRÉPANOCYTOSE : L'AFM-TELETHON SOUTIENT PLUSIEURS PROJETS DE RECHERCHE D'ANNE GALY, SPECIALISTE DE LA THERAPIE GENIQUE DES MALADIES DU SANG ET DU SYSTEME IMMUNITAIRE

Corriger par thérapie génique, en laboratoire, les cellules souches sanguines des malades avant de leur restituer leurs propres cellules corrigées, telle est la stratégie d'Anne Galy, experte de la thérapie génique des maladies du sang. Pour cela, elle mène plusieurs projets de front en collaboration avec Généthon et d'autres équipes de recherche françaises.

Anne Galy collabore ainsi avec des équipes de Généthon, de l'institut Imagine et de l'Institut Mondor de Recherche Biomédicale sur une approche très innovante : le base editing.

Cette technique consiste à corriger directement le gène défectueux en modifiant quelques lettres (les bases) de l'ADN. « *On change seulement une petite base qui fait que la protéine finale aura des propriétés différentes. Cette stratégie d'édition du génome qui vise à réactiver l'hémoglobine fœtale est très encourageante. Cela marche très bien in vitro, sur des cellules de patients, à petite échelle* » résume Anna Galy, responsable de ARTTG, accélérateur de recherche technologique en thérapie génomique. Il faut désormais valider ces premières preuves de concept en phase préclinique avant de lancer un essai chez les patients.



## LES CONSULTATIONS PLURIDISCIPLINAIRES : DES LIEUX CLÉS POUR LES FAMILLES

Les consultations pluridisciplinaires permettent aux malades de rencontrer dans un même lieu, et dans une même journée, les différents spécialistes de leur maladie et de bénéficier ainsi d'un suivi complet et personnalisé. Ces consultations ont été mises en place sous l'impulsion de l'AFM-Téléthon pour assurer aux malades neuromusculaires la meilleure prise en charge possible.

**En 2023, 55 consultations ont bénéficié du soutien de l'Association** qui a engagé près de 2 millions d'euros pour des postes de psychologues, secrétaires, médecins, ergothérapeutes... dans ces consultations indispensables aux malades.

À L'ÎLE DE LA RÉUNION,

L'AFM-TÉLÉTHON SOUTIENT 2 CONSULTATIONS PLURIDISCIPLINAIRES

Groupe Hospitalier Sud Réunion Saint Pierre :

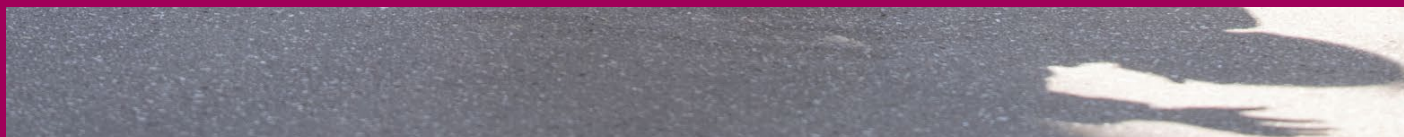
- Consultation enfants : Dr Valérie TROMMSDORFF
- Consultation adultes : Dr Ariane CHOUMERT



Envie de faire un reportage ?  
**Contactez le service de presse !**



**DES FAMILLES PARTAGENT  
LEUR HISTOIRE !**



# DES FAMILLES TÉMOIGNENT

## A L'ÎLE DE LA RÉUNION

De plus en plus de malades et de familles voit leur destin changer grâce aux thérapies innovantes, fortement soutenues par l'AFM-Téléthon grâce au Téléthon. Des enfants jusqu'alors condamnés précocement grandissent. Des adultes bénéficient d'une meilleure qualité de vie. Pour d'autres, l'espoir est chaque jour plus concret car la recherche accélère. Tous ont envie de partager leurs victoires, leurs espoirs, leur combat.

### **GRÂCE À UN MÉDICAMENT DE THÉRAPIE GÉNIQUE, ANGEL CONTINUE DE PROGRESSER CHAQUE JOUR! - Angel, 4 ans, atteint d'amyotrophie spinale et traité par thérapie génique – (Le Tampon)**

Angel a seulement 5 mois quand les médecins lui diagnostiquent une amyotrophie spinale, une maladie rare qui le prive de force pour jouer, bouger, menaçant même sa vie. Un mois plus tard, en novembre 2019, Angel et sa famille s'envolent pour la métropole afin de bénéficier du premier médicament de thérapie génique disponible pour cette maladie, issu d'une recherche pionnière de Généthon : « **Lorsque les médecins nous ont proposé le traitement, il a fallu se décider très vite ! On s'est dit qu'il fallait tout tenter pour sauver notre petit garçon... Et aujourd'hui, c'est incroyable, il tient assis tout seul, il attrape les objets et réussit même à les tenir !** » Même s'il a besoin de soutien, Angel tient aujourd'hui debout et continue de progresser chaque jour !

### **DE L'ESPOIR POUR LA MALADIE EMBLÉMATIQUE DU COMBAT DE L'AFM-TÉLÉTHON, MÊME À 10 000 KM DE LA MÉTROPOLE !**

#### **Naho, 9 ans, atteint de myopathie de Duchenne – vit à Entre-Deux**

Tout petit, Naho montre de premiers symptômes. Il marche et parle assez tardivement, il a des difficultés à monter les escaliers et se fatigue très rapidement. Pressentant que son développement psycho moteur était tardif, Sarah, sa maman, cherche des réponses auprès de médecins, pédiatres... Après un rendez-vous au CHU de Saint-Pierre, le diagnostic de myopathie de Duchenne est confirmé : « **À l'issue de la prise de sang, je rentre chez moi, consulte internet et suite à ces lectures, je commence à réaliser et me dis que tout ça ne sent pas bon... De là, dès le lendemain, je reçois un coup de fil de l'hôpital me demandant de revenir en consultation au plus vite** » se souvient-elle. Puis tout s'enchaîne. Elle se penche sur les avancées de la recherche sur la myopathie de Duchenne et prend tout de suite contact avec le service régional de La Réunion. Naho a pu ensuite intégrer l'étude d'histoire naturelle de la maladie menée par le CHU de Lille, supervisée par le Dr Davion. Ses parents ont beaucoup d'espoir car un essai de thérapie génique est en cours. « **On sait que cela prend du temps, Naho est en attente de l'injection s'il est toujours dans les critères pour pouvoir en bénéficier. Il faudrait que cela arrive vite car les capacités motrices de Naho se dégradent et il pourrait perdre la marche...** ». En attendant, Naho vit le plus normalement et intensément possible : « **C'est à lui de mesurer en expérimentant ce qu'il peut ou ne peut pas faire mais j'essaie de lui faire faire et découvrir ce qui est possible dans notre environnement.** »



#### **Romain, 16 ans, atteint de myopathie de Duchenne – vit à Saint-Louis**

Une nuit, Romain, pas tout à fait 2 ans, fait une poussée de fièvre à 40°. À l'hôpital, la famille croise une neurologue qui, en observant Romain, échange avec ses parents et leur propose de faire une biopsie. Quelques jours plus tard, le diagnostic de myopathie de Duchenne tombe. « **Avec le recul, on s'est rendu compte que Romain a fait ses 1ers pas à 14 mois, qu'il tombait beaucoup et jouait exclusivement au sol. On s'est rappelé qu'il ne cherchait pas à se mettre debout et marcher... ça a été difficile** » se souvient sa maman, Tania. Aujourd'hui, Romain a 16 ans, et même s'il parvient encore à faire quelques pas, il se déplace en fauteuil roulant électrique. « **C'est très difficile, ça commence à devenir compliqué, les difficultés s'accroissent en ce moment... Je n'aime pas penser à la perte de la marche** » Tania suit de près les avancées de la recherche qui s'accélère dans la myopathie de Duchenne : « **On sait qu'il se passe beaucoup de choses, que cela avance... même si ce n'est pas facile, on veut garder espoir. S'il n'y avait pas la recherche, nous n'aurions pas d'espoir. On a besoin du soutien des donateurs pour qu'on trouve enfin une solution.** » Romain vient de terminer sa seconde et aimerait s'orienter, pour le moment, vers le journalisme. « **J'aimerais me battre pour mes idées, contre les inégalités.** »





**ACCOMPAGNER LES  
FAMILLES AU QUOTIDIEN**



# LES SERVICES RÉGIONAUX



Parce que les maladies neuromusculaires sont des maladies évolutives et invalidantes, l'AFM-Téléthon a mis en place, dès 1988, un modèle d'accompagnement pour proposer de nouvelles solutions aux problèmes posés par la maladie. La mission de l'AFM-Téléthon auprès des malades se décline autour d'une ambition : permettre à chacun de réaliser son projet de vie.

à la personne, aménagement de logement et véhicule, accès aux droits...), vie sociale et relationnelle (scolarité, emploi, transport, répit, vacances, vie associative, vie affective), ... les RPS sont une vraie boussole pour les familles touchées par la maladie.

**15 Services régionaux regroupent 191 professionnels**, notamment les Référénts Parcours de Santé (RPS) qui accompagnent les malades et leur famille au quotidien. Parcours de soins (suivi médical, paramédical, information sur la recherche, les essais cliniques, les traitements...), compensation et la vie quotidienne (acquisition et financement d'aides techniques, aides



## ZOOM

### LE SERVICE RÉGIONAL DE L'AFM-TELETHON À L'ÎLE DE LA RÉUNION



**1 SERVICE RÉGIONAL BASÉ À ST GILLES LES BAINS**



**8 PROFESSIONNELS**

**DONT 5 RÉFÉRENTS PARCOURS DE SANTÉ (RPS)**

# CARNET D'ADRESSE

## ÎLE DE LA RÉUNION

Chaque 1er week-end de décembre, le Téléthon vit partout en France, grâce à l'engagement des bénévoles qui coordonnent, développent et fédèrent les nombreuses animations locales.

Journalistes, les coordinateurs Téléthon répondent à vos questions sur la mobilisation de votre département/région avant, pendant et au lendemain du Téléthon. N'hésitez pas à les contacter !

**ÎLE DE LA RÉUNION (974)**  
Cédric HOARAU : 06 92 69 94 58

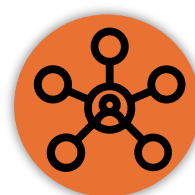
### CHIFFRES CLÉS DE LA RÉUNION



**23 COMMUNES  
MOBILISÉES**



**36  
ANIMATIONS**



**1  
COORDINATION**



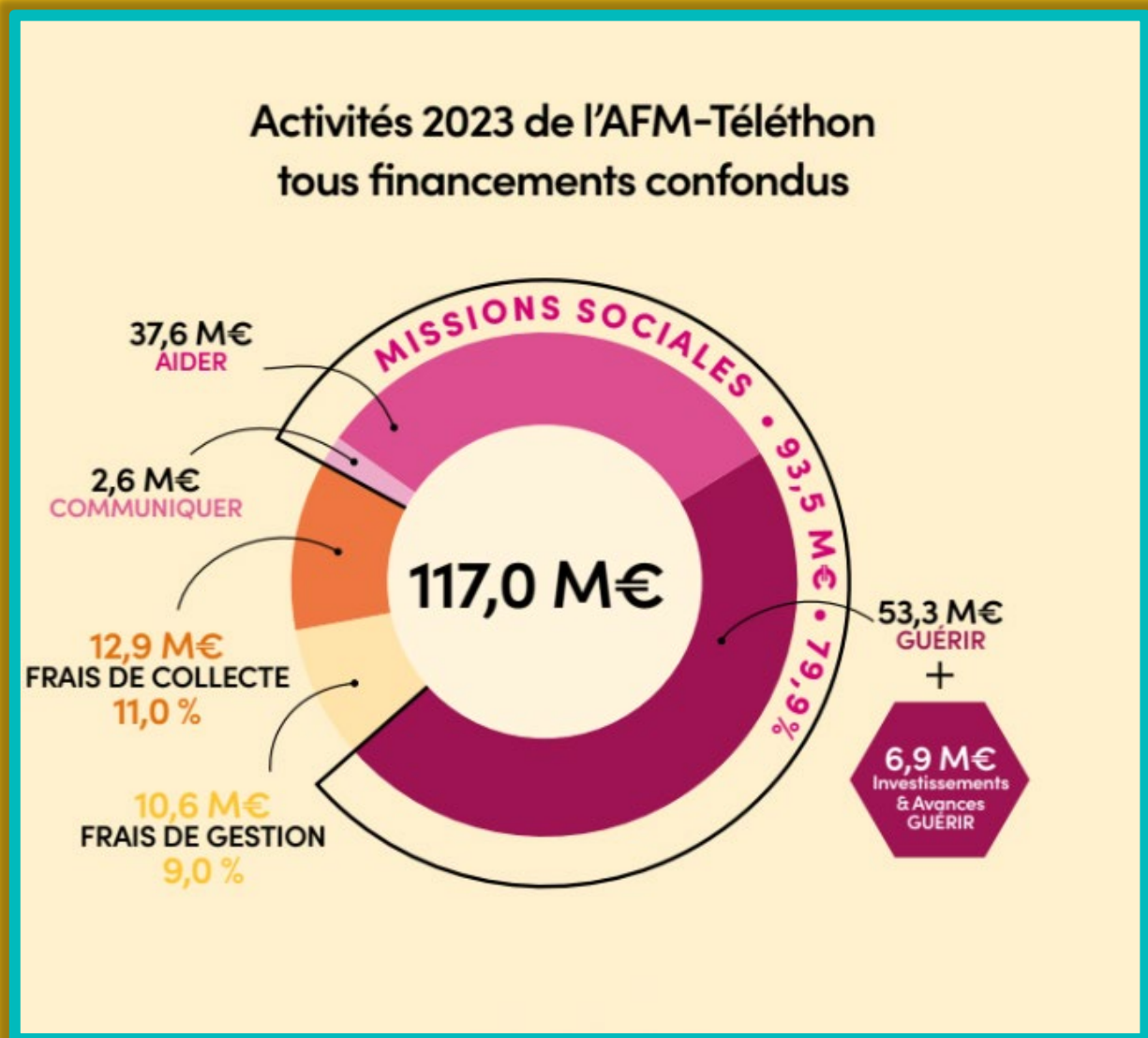
**435 BÉNÉVOLES**



**314 932 €  
COLLECTÉS EN 2023**

# Tout savoir sur l'action et les comptes de l'AFM-Téléthon

Dès le premier Téléthon, l'AFM-Téléthon s'est engagée à rendre compte de l'utilisation des dons et de ses actions en toute transparence. L'AFM-Téléthon fait partie des associations les plus contrôlées. Les comptes sont rendus publics chaque année. Ils sont accessibles sur internet et diffusés largement.



Consultez le rapport annuel de l'AFM-Téléthon [ICI](#)

**TOUT SAVOIR SUR LE TÉLÉTHON 2024 :  
[WWW.TELETHON2024.FR](http://WWW.TELETHON2024.FR)**